

2-17. Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA)

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA)

所在地: 151 Buckingham Palace Road, Victoria, London, SW1W 9SZ, UK

電話: +44 20 3080 6000

F A X: +44 20 3118 9803

Homepage: www.mhra.gov.uk/Aboutus/index.htm

面談日時: 2013年11月1日(金) 14:30~15:30

面談場所: 上記面談場所

面談者: Andrew French, Ph.D.

Group Manager - Licensing

Dr Elaine Godfrey

Deputy-Manager - CTU, Licensing

Dr Bridgette Heelan

Medical Assessor - Licensing

Stephen Lee

Principal Medical Device Specialist Biosciences and Implants, Devices

Rosalind Polley, Ph.D.

Senior Medical Device Specialist Biosciences and Implants, Devices

Krishna Prasad, MD, Clinical Assesor/Cardiologist

Manager, Product Lifestyle Assessment Team 1 MHRA

Contact Person: Ida De Souza

Executive Assistant

Product Lifestyle Assessment Team 1 MHRA

面談目的:

MHRAの核酸医薬の薬事規制の考え方についての情報収集を行う。

説明内容:

- ・ MHRAの核酸医薬に対する薬事規制の考え方について説明を受けた。
- ・ 核酸医薬に関する薬事規制に関しては、日米欧での見解・判断の相違が散見されているが、MHRAでは、全合成で製造する限り鎖長によらず、原則、核酸医薬は、低分子医薬品と同じ規制を適用するとの明確な方針を有していた。非臨床で必要となる特殊な試験は、分子や標的に依存する。MHRAの核酸医薬に関する評価経験は極めて限られており、今後、予期せぬ問題が起きる可能性もあるため、当面は、1つ1つの案件を慎重かつ詳細に

評価して行くとのことであった。

- 核酸医薬の評価において、現時点で MHRA が最も注意しているのは、その純度と不純物が有する非特異的薬理作用 (off-target 効果) である。
- 核酸医薬の不純物は低分子医薬品と比較して多様性に富むため、ペプチドと同様な考え方ができる。また、不純物の解析法については方法の選択の根拠も含めて説明する必要があるが、妥当でバリデートされた手法であれば方法は問わないため、企業から提案できる。なお、臨床試験の中での解析法の変更はクロスバリデーションが必要となり、tricky な評価となるため避けるべきであり、1 試験を完了した後に解析法を変えることを推奨するとの考えであった。
- Off-target 効果については、いろいろな疾患に係る分子に結合する場合は懸念するがケースバイケースである。Off-target 効果の評価する方法は特定のものではなく、集められている情報により、in silico、in vitro あるいは in vivo のいずれのデータでも受け入れは可能とのことである。企業が in silico において懸念を見出した場合は、可能であれば後から wet data を提出することが望ましいとのことであった。
- EMA と同様、当面、MHRA も核酸医薬に特化したガイダンスやガイドラインを作成する予定はないが、核酸医薬の情報が集まり特有の課題や低分子との違いが見出されるなど作成の必要が認められた場合は、速やかに対応できるようにしておきたいとのことであった。

所 感：

MHRA においても核酸医薬の評価は経験が少ないとのことではあるが、評価に関する明確な考え方は持っており、CMC から臨床まで明確な意見を聞くことができた。限られた情報の中でも、適格に考え方を理解できるように真摯に説明をされ、企業とともに開発を進めようとする姿勢が垣間見られた。

(池田 陽子)

受 領 資 料： なし

参 考 資 料：

1. MHRA ホームページ： <http://www.mhra.gov.uk/>

第3章 調査結果の総括と提言

3-1. 調査結果の総括

1. 核酸医薬の現状と課題

核酸医薬は欧米においても新しい分野であり、現在開発されている治療薬は限られ、それらに用いられている技術も限定されたものである。今回の調査の結果、核酸医薬には大きな期待を寄せる声もあるものの、標的細胞へのデリバリー、体内での安定性、適応疾患等に関する科学・技術的な問題・課題が少なからず残っていると同時に、日米欧薬事規制当局の審査・評価結果には明らかな差異が認められ、明確な方針も定まっていないことが分かった。このような様々な面での不明・未解決な点を解決して行くため、各当事者は、今後も具体的な事例を通じて実績・経験を重ねて行くことになるが、それは、どの国・地域においても、突出して先行しているところはないことを示すものであり、我が国にも、大いにチャンスがあるものと思われた。

2. 産学連携をもとにした創薬研究の進展

欧米では、アカデミア・バイオテック企業のみならず、製薬企業においても、創薬標的に対する HTS から始まる典型的な創薬で、これまでのようなペースでの新薬創出が可能であると考えている企業は殆どない。また、このような認識に従って、少なからぬ企業が、リスクを覚悟の上、よりイノベーター的な創薬アプローチに迅速に着手できるよう、組織のフラット化、下部組織への権限の大幅な委譲、研究部門のマーケティング・開発部門からの分離等を積極的に進めるとともに、細胞療法による疾患治療や組織再生、エピゲノム機能解析に基づく細胞機能制御、ナノマシン・テクノロジーによる DDS、組換え微生物によるがん・感染症の治療、コンピューターサイエンスを駆使した医薬品候補物質の評価、等、従来の創薬の概念の枠内には収まらない新たな治療法、治療薬の開発に取り組み始めている。このような取り組みを可能としているのが、オープンイノベーションを始めとする積極的な PPP (Public-Private Partnership) であり、創薬における PPP の役割は、今後一層重要となって行くものと思われた。

3. 製薬企業における前競争的連携の進展

欧米各国における医療費削減の動きや新薬承認基準の厳格化、製薬企業の研究開発パイプラインの枯渇化等により、医薬品市場は世界的規模で変化しており、製薬企業の経営・研究開発環境は激しく変化している。このような状況下で、より経済的・効率的に、より成功確率の高い創薬を目指さざるを得ない製薬企業にとって、前競争的な連携は有力な手段であり、確実に重要性が増していると思われた。実際、米国では、PhRMA や BIO において、前競争的連携に関する取り組みが増加しているとのことであり、C-Path においても、新たな医薬品評価基準の確立等、医薬品研究開発・承認プロセスの効率化・迅速化に繋がる複数のコンソーシアム形式での検討が進んでいるとのことであった。また、PhRMA、BIO、C-Path でのこれらの取り組みには、NIH や FDA 等からのグラントや各種慈善財団・患者団体からの支援金等が提供されており、国家的な理解・支援が既に形成されていると感じさせられた。我が国においても、早急に日本の製薬企業間での前競争的連携の支援・推進体制の整備を進める必要があると思われた。

3-2. 提言

上述の通り、我々は、今回の調査によって、欧米各国の行政・規制機関、業界団体、製薬企業、公的研究機関、バイオテック企業等より様々な最新情報を入手し、様々な新たな取り組みや今後の方向性等について、日本と対比することにより、大いに考えさせられた。

本レポートの最後に、我が国の行政・規制機関、製薬・バイオテック企業、大学・研究機関が今後も持続的に発展し、世界の中でのプレゼンスを維持・向上することを願い、国外調査ワーキンググループとして、以下の通り提言する。

1. 速やかなオールジャパン連携体制の確立により、核酸医薬で世界をリードする基盤を一気に構築・強化する。

修飾・安定化技術を中心に、核酸医薬に関する様々な技術は確実に進展しており、核酸医薬の開花時期は遠い未来ではないと思われる。

しかし、前述の通り、核酸医薬には、様々な科学・技術的な問題・課題（標的臓器・細胞へのデリバリー精度の改善、製造コスト低減と純度向上、より安定な修飾技術の開発、経口製剤化技術の開発、新たな治療対象疾患の探索、オフターゲット効果の低減等）が残っており、日米欧薬事規制当局の審査・評価のスタンスにも明らかな差異が認められ、ガイドライン、ガイダンス等も定まっていない。

実際、今回の調査で訪問した核酸医薬を開発している企業では、何れの企業においても、まずは開発中の核酸医薬で承認を獲得することを優先し、局所投与で効果が期待できる眼科・皮膚科領域の限られた疾患を標的として開発を進める一方、新たな核酸医薬の治療対象疾患の探索、新たな標的臓器・細胞へのデリバリー技術の開発等を中心に、アカデミア等との共同研究・技術提携等を積極的に行っていた。

このような状況から、現時点では、いかなる国・地域においても、突出して先行している企業はなく、我が国の企業にも大いにチャンスがあるものと考えられる。しかし、核酸医薬にも莫大な研究開発費を投入し始めている欧米大手製薬企業に比べ、企業規模が小さい我が国の製薬企業が、様々な科学・技術的な問題・課題に単独で取り組むのは得策ではなく、是非、オープンイノベーションや前競争段階でのコンソーシアム等により、当該分野に明るいアカデミアや他社と協力して、問題・課題の解決を図るべきと考える。更に、我が国は、核酸修飾技術や核酸医薬の対象疾患に関する研究等では、他の先進国をリードしてきた実績もあるので、その基盤を活用・強化するため、是非、関係省庁には、優先的な公的研究費・事業化支援費の投入を検討して頂きたい。また、規制当局には、FDA や EMA の一歩先を見据えたルールを提案する等、FDA や EMA を追従するのではなく、むしろリードして行く気概を持って、核酸医薬に取り組んで頂きたい。このような産学官のオールジャパンでの連携を迅速に実現することができれば、我が国が核酸医薬分野で世界をリードすることも夢ではない。

2. オープンイノベーションを進化させ、我が国独自の双方向オープンイノベーションを確立・実践展開する。

前述の通り、医薬品の研究開発においても、よりイノベティブな創薬アプローチに迅速に着手するため、また、全く新しい治療法・治療薬の開発に取り組むため、オープンイノベーションを始めとする産学連携が急速に進展している。しかし、ここ数年間に多くの新たな大型案件も報道された我が国におけるオープンイノベーションから、期待通りの成果が得られているとは言い難く、見直し・改善の必要性が顕在化しつつある。

創薬分野で産学連携を成功させるためには、企業と提携アカデミア間の円滑な意思疎通、情報・意見交換のためのインターフェースが整備され、常に両サイドにとって機能的である必要がある。しかしながら、欧米と異なって人的資源の流動性が低い我が国では、産業界とアカデミアの間の相互理解が不十分で、大型の産学連携を開始したにも関わらず、製薬企業のニーズをアカデミアが理解できていないケース、アカデミアの知識・経験を製薬企業が活用できていないケースが少なくなく、実際、製薬企業のオープンイノベーション公募サイトにおいても、募集する会社側と応募するアカデミア側の間で認識の違いが浮彫りとなっている。

このような課題・問題を解決するため、企業側では、特定のアカデミアとの包括的提携を行って、相互理解の醸成を図ったり、アカデミアの産学連携担当部署との定期的な会合を持ったりしており、アカデミアでは、著名大学やこれらを中心とした地域クラスターにて、企業との連携強化、自前での創薬実施基盤の構築等が行われている。更に、政府側においても、独立行政法人 日本医療研究開発機構（新独法）の設立、アカデミアシーズの事業化推進制度の整備・充実、医薬基盤研を中心とした包括的支援組織の設立等によるライフサイエンス研究・事業の支援・推進が図られつつある。しかし、これらの方策では、抜本的な改善は容易ではなく、即効性も期待できない。

我が国において、産学連携を成功させるキーは「より深い双方向での相互理解に基づく、needs oriented collaboration の実現」であり、これを実現するには、これまでのアカデミアから企業への一方通行のオープンイノベーションではなく、企業とアカデミアが双方向で経験・情報・技術・ノウハウを提供し合い、正に一体となって、イノベーションに取り組む体制の構築・運営が必要であると考えます。

このような見地に立ち、もともと国土が狭く、直接対話型コミュニケーションを得意とする我が国の特性を踏まえて、以下のような方策の検討・実践を強く要望する。

- ① 我が国では、各セクター内での連携（製薬企業：HS 財団、製薬協等、バイオテック企業：JBA、大学発バイオベンチャー協会等、大学病院：医学系大学産学連携ネットワーク協議会等、アカデミア：創薬支援ネットワーク等）は進んでおり、企業と大学の包括的単独連携も盛んである。しかし、フランスの Medicen Paris Region が促進していたような、ライフサイエンスに関連した全ての業界が多面的に連携し、業界共通の課題に複数の機関で取り組む試みはまだまだ充実していない。ライフサイエンスにおけるイノベーションを加速するために、同様の試みを行うべきである。
- ② 企業とアカデミアが双方向でオープンイノベーションに取り組めるようになるためには、オープンイノベーションを円滑かつ効率的に運営するとともに、外部リソースと内部リソースを柔軟に使い分ける、革新的新組織を構築するべきである。さらに、当該組織は、ベンチャー企業のように、意思決定が早く、機動力のある組織でなければならず、企業本体から独立した意思決定がで

きるようにするべきである。

- ③ 我が国の生命科学分野全体をリードする組織となる新独法の設立が、政府主導で進められているが、当該新組織では、医薬医療創薬分野の基礎から応用・事業化までの全体を俯瞰し、長期的かつ多角的戦略を立てる機能が必要である。このような機能を十分に果たし、総合的な組織構築・運営を実現するには、製薬企業での研究開発の経験が豊富で、ビジネスマインドを持ち、予算確保の折衝力も有する優れた人材を実務トップに据える等の思い切った施策を取るべきである。
- ④ 創薬支援ネットワークや新独法では、公的研究機関・アカデミアの創薬シーズと製薬企業による応用研究・開発の間には、所謂「死の谷」が存在し、これら新たな組織が埋めることによる創薬の活性化が示されている。しかし、米国では、この「死の谷」を埋める役割をベンチャー企業が果たしており、我が国においても、ベンチャー企業の育成・強化は重要な課題と思われる。今回の調査で訪問したQB3では、大学発ベンチャーに対し、設立早期から、あらゆる面での支援が行われていたが、我が国では、このような支援はほとんど実施されていないため、バイオ起業家の人材育成について、国主導での早急かつ現実的な対応策の検討・立案を期待する。

3. 我が国における製薬企業の前競争的連携の推進・支援体制を整備することにより、医薬品研究開発・承認プロセスの効率化・迅速化を図る。

より経済的・効率的に、より成功確率の高い創薬を目指さざるを得ない製薬企業にとって、前競争的な連携は有力な手段であり、確実に重要性が増している。今回の調査によって、米国では、PhRMA、BIO、C-Pathにおける前競争的連携に関する取組みに、NIHやFDA等からのグラントや各種慈善財団・患者団体からの支援金等が提供されており、国家的な理解・支援が既に形成されていることが分かった。

一方、我が国においては、製薬企業間の比較的大規模な前競争的連携が実施された事例はあるものの(例:ファルマスニップコンソーシアム)、やや散発的で目的も限定されている感は否めない。

PhRMAやBIOにおいては、例えば、非臨床安全性試験に関する効率化・合理化を目的としたコンソーシアムが非常にうまく進展している例等もあり、C-Pathにおいては、新たな医薬品評価基準の確立等、医薬品研究開発・承認プロセスの効率化・迅速化に繋がる複数の検討がコンソーシアム形式で進んでいること等を踏まえ、我が国においても、長期的視野に立って、早急に国内製薬企業間での前競争的連携を支援・推進する体制の整備を進める必要がある。

上記認識のもと、我が国における前競争的連携推進を実現するため、日本の製薬企業並びに関係する公的機関に対し、以下のような検討や施策の実践を期待する。

- ① NIHでは、アルツハイマー病を始めとする幾つかの疾患に関し、複数の製薬企業が参加したコンソーシアムにより、臨床試験のエンドポイントを共同で研究する前競争的連携が行われている。本邦においても、例えば、企業にとって秘匿事項となっている医薬品の開発失敗事例を持ち寄って、失敗の原因を共同で解析・共有し、失敗のリスク軽減を目指すような、前例のない前競争的連携を実現するべく、新独法を始めとする関係機関に、積極的な検討を期待する。
- ② 今回の調査で明らかとなった欧米での取り組み、及び過去に調査した欧州におけるIMI

(Innovative Medicines Initiative)の進捗等に比べ、我が国の前競争的連携は、規模・内容ともに遅れが明らかである。米国 NCATS や Regan Udall Foundation のような組織を設置することにより、あるいは、関係団体での取り組み体制を強化する等により、先行している欧米と競合しない分野において、前競争的連携を早急に強化・進展させるべきである。

- ③ 日本の医科学分野の基盤を整備するため、また日本の医薬開発における前競争的なボトルネック解消に向け、アカデミアが率先して、日本人(アジア人)の遺伝子解析や疾患レジストリー、バイオバンク等の整備とその有効活用を進めるべきである。また、これを推進するため、遺伝情報を始めとする患者個人の情報の取り扱いについて、早急に国家的コンセンサスを固めるべきである。
- ④ 欧米では、行政からの積極的な資金支援があり、FDA や EMA などの規制当局も積極的に前競争的共同研究に参加している。我が国においても、創薬に関する前競争的連携に対し、同様の支援を期待する。また、欧米に比べ、我が国では、患者団体との連携も少なく、あまり活用されていないが、今後は当該連携を進展させるべきと考える。
- ⑤ 今回の調査で、iPS 細胞を活用した疾患研究に取り組む HipSci を訪問したが、予算規模は大きいものの、活動自体は始まったばかりであり、我が国における当該分野の取り組みは十分に競争力を有していることが分かった。このような状況を踏まえ、基礎研究、応用研究、臨床研究、製造法、レギュレーション、それぞれの分野で、更なる、オールジャパンでの前競争的連携体制を構築し、我が国の強みや先進性を進展させ、世界を席卷する技術を確立するための取り組みを開始するべきである。

以上

平成 25 年度(2013 年度)

国外調査報告書

創薬基盤強化の新機軸を探る
—核酸医薬の新展開・産学連携の最新動向を中心に—

発行日：平成 26 年 3 月 14 日

発行：公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団

〒101-0032

東京都千代田区岩本町 2-11-1

ハーブ神田ビル

電話 03(5823)0361/FAX 03(5823)0363

(財団事務局担当 佐々木 徹)

印刷：株式会社 ユーティック

〒110-0016

東京都台東区台東 2 丁目 30 番 2 号

発行元の許可なくして転載・複製を禁じます。

厚生労働科学研究費補助金
創薬基盤推進研究事業

平成 25 年度（2013 年度）

将来動向調査報告書
「慢性腎臓病（CKD）の将来動向Ⅱ」
【分析編】

公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団

発行元の許可なくして転載・複製を禁じます。

発行によせて

我が国は世界でも有数の透析大国であり、2012 年末の段階で約 31 万人の方が透析治療を受けている。日本透析医学会の統計調査では、新規透析導入患者数はようやく頭打ち、ないしごく軽度ではあるが減少の傾向が見られるものの、依然、年間約 3 万 8 千名もの患者さんが透析に導入され、透析患者さんの死亡数を大幅に上回っているため、当分の間は引き続き総透析患者数は増加するものと推量される。透析や移植を必要とする末期腎不全の最大の原因は慢性腎臓病 (CKD) であり、その治療の最大の目的は生命予後ならびに QOL の改善と透析導入の遅延ないし阻止、更には再生医療などによる腎機能の再構築であるが、腎臓病領域では革新的な治療法はいまだ創出されていない。腎臓病治療におけるイノベーションを惹起するためには、現状の分析と将来に向けた戦略の構築とその実行体制の創出が必要である。本動向調査は、このような問題意識に基づいて平成 24～25 年度に公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団により実施され、多くの専門家の協力による意見聴取を経てまとめられたものである。内容は、臨床的な腎評価指標である新規バイオマーカー開発の課題、創薬の課題、再生医療の課題を中心に書かれているが、専門家の極めて真摯で意欲的な姿勢が透けて見るとともに、同時に乗り越えるべきハードルの高さも感じさせる内容となっている。一方で、最近我が国において政府主導で推進されている様々な事業にも言及しつつ、一步掘り下げて、腎臓分野における治療のイノベーションを可能にするシーズの探索や基礎研究振興の必要性も記載されており、全体として大変深い考察に基づく示唆に富んだ報告書となっている。言い換えれば、腎臓病克服のために日夜励んでいる基礎・臨床研究者および臨床医の様々な意見が抽出された貴重な報告書となっている。この報告書が、腎臓病領域における医療のイノベーションを惹起するための貴重な資料となることを願っている。

名古屋大学大学院 医学系研究科 腎臓内科学 教授
社団法人日本腎臓学会 理事長
松尾 清一
(スーパーバイザー)

はしがき

公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団（HS 財団）では、昭和 61 年度（1986 年度）より、厚生科学研究費補助金を活用し、医療・医薬などいわゆるヒューマンサイエンスにおける研究開発の分野で、産学官が協力して実施する官民共同プロジェクトを推進してまいりました。平成 25 年度（2013 年度）は、厚生労働科学研究費補助金（創薬基盤推進研究事業）「一政策創薬におけるヒューマンサイエンス総合研究（官民共同研究）の推進一」として展開しております。

HS 財団は、本事業を推進するための情報・資料を提供する目的で、「調査研究」を実施しております。その一環であります「将来動向調査」では、各種疾病や保健医療などの諸問題に関する予測調査を実施してまいりました。

本年度は、昨年度（2012 年度）に引き続き、調査テーマとして「慢性腎臓病（CKD）」を取り上げ、昨年度の調査で重要として抽出したバイオマーカー、創薬、再生医療の 3 領域における課題について、専門家へのヒアリングやアンケート法による調査を実施し、本報告書を取りまとめました。

本調査は、平成 25 年度の厚生労働科学研究費補助金（創薬基盤推進研究事業）を受けて行った調査であり、HS 財団情報委員会に所属する「将来動向調査ワーキンググループ」が計画立案し、実施いたしました。本調査の実施に際し、スーパーバイザーとして多大なご指導をいただきました、名古屋大学大学院 医学系研究科 腎臓内科学 教授 松尾 清一 先生をはじめ、調査にご協力いただきました学識経験者および機関、アンケートにご回答いただきました諸先生方に、本誌上をお借りし、深甚なる謝意を表明いたします。

2014 年 3 月

公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団

本調査にご協力いただいた学識経験者

[敬称略]

名古屋大学	学術研究・産学官連携推進本部 医学部附属病院 大学院 医学系研究科 腎臓内科学 (本調査 スーパーバイザー)	副総長 本部長 病院長 教授	松尾 清一
旭川医科大学	内科学講座 病態代謝内科学分野	教授	羽田 勝計
岡山大学病院	新医療研究開発センター 糖尿病センター	教授 副センター長	四方 賢一
京都大学	iPS 細胞研究所	准教授	長船 健二
埼玉医科大学病院	腎臓内科	准教授	井上 勉
聖マリアンナ医科大学	腎臓高血圧内科	客員教授	菅谷 健
東京慈恵会医科大学	腎臓・高血圧内科 DNA 医学研究所 腎臓再生研究室	教授 室長	横尾 隆
東京大学	医学部附属病院 腎臓・内分泌内科	教授	南学 正臣
東北大学大学院	医学系研究科 医化学分野	教授	山本 雅之
名古屋大学大学院	医学系研究科 腎臓内科学	准教授	丸山 彰一

調査・執筆担当者

公益財団法人ヒューマンサイエンス振興財団

情報委員会

将来動向調査ワーキンググループ

[敬称略]

アステラス製薬株式会社	研究本部 研究推進部	前田 典昭 (リーダー)
Meiji Seika ファルマ株式会社	医薬研究所	鈴木 幸吉 (サブリーダー)
株式会社アイ・ハイ・イノベーション・コンサルティング		大場 庸子
キッセイ薬品工業株式会社	研究企画部 研究調査課	大脇 浩幸
杏林製薬株式会社	創薬研究所 薬理第一研究部	井出 智広
塩野義製薬株式会社	医薬研究本部 研究戦略オフィス	泊 真介
第一三共株式会社	研究開発本部 研究開発企画部	藤澤 道雄
株式会社シード・プランニング	リサーチ&コンサルティング部	中村 誠
株式会社シード・プランニング	リサーチ&コンサルティング部	山下 あゆみ
公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団	研究企画部	佐々木 徹 (事務局)
公益財団法人 ヒューマンサイエンス振興財団	研究企画部	加藤 正夫 (事務局)

目次

発行によせて	i
はしがき	ii
第1章 調査の概要	1
1-1 調査の背景と目的	1
1-2 調査の方法	1
1-3 アンケート調査	1
(1) 調査の方法	1
(2) 調査実施時期	1
(3) 調査対象	1
(4) アンケート回収状況	2
(5) アンケート回答者の属性	2
1-4 ヒアリング調査	4
第2章 バイオマーカー	5
2-1 腎臓疾患治療におけるバイオマーカーの現状	5
2-2 バイオマーカーに関するアンケート結果	8
2-3 バイオマーカー開発の今後の展望	19
(1) バイオマーカーの研究開発と実用化	19
(2) 画像診断の活用	22
(3) バイオマーカーの保険適用取得の課題と対策	24
2-4 第2章のまとめ	26
第3章 創薬	27
3-1 腎臓病治療薬における研究開発の現状	27
3-2 創薬に関するアンケート結果	28
3-3 創薬に関するヒアリング結果	47
3-4 第3章のまとめ	51
第4章 再生医療	54
4-1 腎臓における再生医療の現状	54
4-2 再生医療に関するアンケート結果	60
4-3 再生医療に関するヒアリング結果	74
4-4 第4章のまとめ	80
第5章 今後に向けて	83
資料-1 アンケート調査票	85
資料-2 アンケート集計結果	89

本文中の略語

ACE	Angiotensin Converting Enzyme	アンジオテンシン変換酵素
ADL	Activities of Daily Living	日常生活活動
ADPKD	Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease	多発性嚢胞腎
AKI	Acute Kidney Injury	急性腎障害
ANCA	Anti Neutrophil Cytoplasmic Antibody	抗好中球細胞質抗体
APOL-1	Apolipoprotein L1	アポリポ蛋白L1
ARB	Angiotensin II Receptor Blocker	アンジオテンシンII受容体拮抗薬
CKD	Chronic Kidney Disease	慢性腎臓病
CT	Computed Tomography	コンピュータ断層撮影
CVD	Cardio Vascular Disease	心血管疾患
GWAS	Genome-Wide Association Study	ゲノムワイド関連解析
eGFR	estimated Glomerular Filtration Ratio	推算糸球体濾過量
EPO	Erythropoietine	エリスロポエチン
ES	Embryonic Stem (Cells)	胚性幹細胞
ESKD	End Stage Kidney Disease	末期腎不全
FDA	Food and Drug Administration	米国食品医薬品局
HD	Hemodialysis	血液透析
IgA	Immunoglobulin A	免疫グロブリンA
iPS	induced Pluripotent Stem (Cells)	人工多能性幹細胞
KIM-1	Kidney Injury Molecule-1	腎臓障害分子1
L-FABP	Liver type Fatty Acid Binding Protein	L型脂肪酸結合蛋白
MRI	Magnetic Resonance Imaging	核磁気共鳴画像
NGAL	Neutrophil Gelatinase-Associated Lipocalin	好中球ゼラチナーゼ関連リポカイン
NIH	National Institutes of Health	米国国立衛生研究所
PET	Positron Emission Tomography	陽電子放射断層撮影
PKD	Polycystic Kidney Disease	多発性嚢胞腎
PMDA	Pharmaceuticals and Medical Devices Agency	独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
QOL	Quality of Life	生活の質
RAS	Renin-Angiotensin System	レニン-アンジオテンシン系
SNP	Single Nucleotide Polymorphism	一塩基多型
STAP	Stimulus-Triggered Acquisition of Pluripotency	刺激惹起性多能性獲得
3DCT	3 Dimensional Computed Tomography	3次元コンピュータ断層撮影

第1章 調査の概要

1-1 調査の背景と目的

昨年度は、「慢性腎臓病（CKD）の将来動向調査」として、日本腎臓学会、日本透析学会の役員、評議員、および日本腎臓学会腎臓病専門医制度専門医を対象としたアンケート調査を実施し、調査報告書を取りまとめた。昨年度のアンケート調査結果から、CKD概念の社会への普及浸透、高騰する医療費の軽減、診断バイオマーカーの開発、腎臓疾患治療法の開発、基礎研究成果の効率的な臨床応用、再生医療の実用化などの多くの課題が抽出された。今年度は、バイオマーカー、創薬、再生医療を取り上げ、各々の課題の重要度、実現時期を探る目的で、日本腎臓学会の役員、評議員等への Web アンケート調査、専門家に対するヒアリング・勉強会を実施した。

1-2 調査の方法

本調査では、HS 財団情報委員会将来動向調査ワーキンググループにおいて、調査方法、調査項目、調査内容について検討し、アンケート調査票、ヒアリング質問票を作成した。日本腎臓学会の役員、評議員等を対象に、インターネットを利用した Web アンケート調査を実施し、腎臓疾患におけるバイオマーカー、創薬、再生医療の専門家を招いた勉強会・ヒアリングを行った。

1-3 アンケート調査

(1) 調査の方法

日本腎臓学会のご協力により、腎臓内科専門医を対象に Web アンケート調査を実施した。

(2) 調査実施時期

2013年12月5日～2013年12月19日

(3) 調査対象

日本腎臓学会の役員、評議員、および将来構想検討ワーキングチーム、合計653名を Web アンケート調査対象者とした。

(4) アンケート回収状況

本アンケート調査では、電子調査票の URL を電子メールにて発送し、Web 画面上で回答を頂いた。送付総数 653 名、回答は 104 名、回答率は 15.9%であった。

図表 1-3-1 回収状況

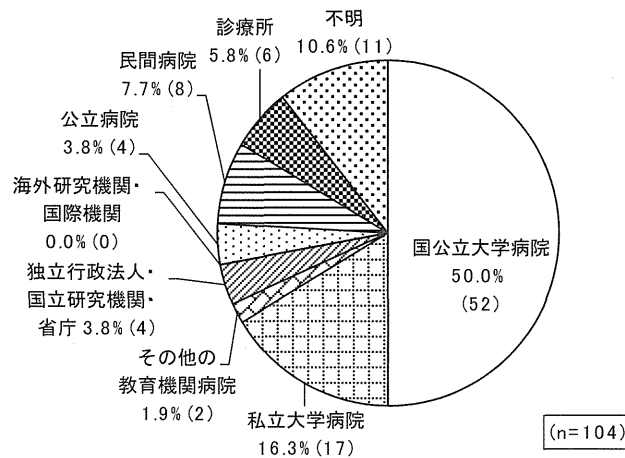
送付数	回答数	回答率(%)
653	104	15.9

(5) アンケート回答者の属性

1) 設置主体

回答者の所属機関の設置主体は、「国公立大学病院」が最も多く (50.0%)、次いで「私立大学病院」(16.3%) であった。

図表 1-3-2 設置主体

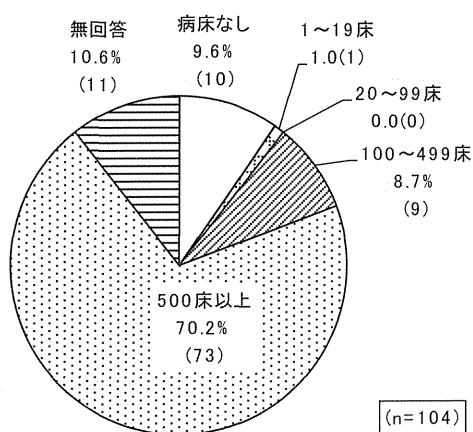


項目	回答数	回答率(%)
国公立大学病院	52	50.0
私立大学病院	17	16.3
その他の教育機関病院(医学部以外の大学に勤務者を含む)	2	1.9
独立行政法人・国立研究機関・省庁	4	3.8
海外研究機関・国際機関(留学中を含む)	0	0.0
公立病院	4	3.8
民間病院	8	7.7
診療所	6	5.8
無回答	11	10.6
全体	104	100.0

2) 病床数

回答者の所属機関の病床数は、「500床以上」が70.2%と最も多く、次いで「病床なし」(9.6%)、「100～499床」(8.7%)の順であった。

図表 1-3-3 病床数



項 目	回答数	回答率 (%)
病床なし	10	9.6
1～19床	1	1.0
20～99床	0	0.0
100～499床	9	8.7
500床以上	73	70.2
無回答	11	10.6
全体	104	100.0

1-4 ヒアリング調査

腎臓疾患におけるバイオマーカー、創薬、再生医療の専門家を対象に、ヒアリング（勉強会を含む）調査を行った。

【バイオマーカー、創薬】			[敬称略]
旭川医科大学	内科学講座 病態代謝内科学分野	教授	羽田 勝計
岡山大学病院	新医療研究開発センター 糖尿病センター	教授 副センター長	四方 賢一
埼玉医科大学病院	腎臓内科	准教授	井上 勉
聖マリアンナ医科大学	腎臓高血圧内科	客員教授	菅谷 健
東京大学	医学部附属病院 腎臓・内分泌内科	教授	南学 正臣
東北大学大学院	医学系研究科 医化学分野	教授	山本 雅之
【再生医療】			
京都大学	iPS細胞研究所	准教授	長船 健二
東京慈恵会医科大学	腎臓・高血圧内科 DNA医学研究所 腎臓再生研究室	教授 室長	横尾 隆
名古屋大学大学院	医学系研究科 腎臓内科学	准教授	丸山 彰一